

PRESSE- MITTEILUNG

MetrioPharm erhält von der US Zulassungsbehörde FDA den Status einer Seltenen Pädiatrischen Krankheit für MP1032

- FDA erteilt *Rare Pediatric Disease Designation (RPDD)* für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)
- MetrioPharm hat Aussicht auf einen *Priority Review Voucher* mit einem Marktwert von mehr als 100 Millionen USD
- MetrioPharm hat kürzlich in einer Series D Runde CHF 18 Millionen für die Entwicklung von MP1032 bei DMD eingeworben und strebt einen zweiten Abschluss an

Zürich, 25.10.2023 – MetrioPharm AG, ein pharmazeutisches Unternehmen, das Medikamente gegen Entzündungs- und Infektionskrankheiten entwickelt, gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Gesundheitsbehörde FDA (Food and Drug Administration) MP1032 die Rare Pediatric Disease Designation (RPDD) für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie erteilt hat.

Die FDA erteilt RPDD für ernste und lebensbedrohliche Krankheiten, die vor allem Kinder und nicht mehr als 200.000 Patienten in den Vereinigten Staaten betreffen. Duchenne ist eine genetisch bedingte Krankheit, die durch fortschreitende Muskeldegeneration gekennzeichnet ist und deren Symptome in der frühen Kindheit, gewöhnlich im Alter von zwei bis drei Jahren, auftreten. Die Krankheit betrifft vor allem Jungen und führt zu schwerem Muskelschwund und Herzversagen. DMD verkürzt die Lebenserwartung erheblich.

"Bei der Entwicklung von MP1032 für junge Duchenne-Patienten stehen wir in sehr engem Kontakt mit den Patienten, ihren Familien und vielen internationalen Experten", sagt Dr. Wolfgang Brysch, CSO und Mitbegründer von MetrioPharm. "Unser Ziel ist es, die hohen Dosen von Kortikosteroiden (Kortison-Präparaten), die Patienten über Jahre, oft Jahrzehnte, erhalten, zu reduzieren und die Langzeitbehandlung sicherer und effizienter zu machen. Der Status als seltene pädiatrische Erkrankung bestätigt unser klinisches Entwicklungsprogramm, insbesondere unsere Entscheidung, DMD zu unserer Leitindikation auf dem Weg zur Marktzulassung von MP1032 zu machen."

Das *Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher Program* der FDA richtet sich an die Herausforderungen der Entwicklung von Therapien für spezielle und kleine Patientenpopulationen. Im Rahmen dieses Programms kann ein Sponsor, der eine Arzneimittelzulassung für eine seltene pädiatrische Krankheit erhält, einen sog. *Voucher* erhalten. Dieser kann dazu verwendet werden, eine vorrangige Prüfung des Zulassungsantrags zu erhalten. Er kann auch an andere Sponsoren verkauft werden, um deren Zulassungsantrag vorrangig prüfen zu lassen.

"Der Status als seltene pädiatrische Erkrankung ist eine Anerkennung des medizinischen Potenzials von MP1032 für die Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie", sagte Thomas Christély, CEO von MetrioPharm. "Darüber hinaus können wir nach der Zulassung von MP1032 einen RPDD-Gutschein erhalten, dessen Wert in der Vergangenheit von großen Pharmafirmen mit mehr als 100 Millionen US-Dollar angesetzt und bezahlt wurde. Dies schafft zusätzliches Ertragspotenzial und unterstützt den zweiten Abschluss unserer aktuellen Finanzierungsrunde, in der wir bereits 18 Millionen CHF für die Entwicklung von MP1032 bei DMD eingeworben haben."

Im Mai 2023 erhielt MetrioPharm von der FDA bereits den *Orphan-Drug-Status* für MP1032 für die Behandlung von DMD.

Über MetrioPharm AG

Die MetrioPharm AG ist ein Schweizer Biotech-Unternehmen, das *first-in-class* autoregulierte Immunmodulatoren entwickelt, die auf den krankhaft veränderten mitochondrialen Stoffwechsel in Makrophagen abzielen. Die Plattform von MetrioPharm mit oral verabreichten, niedermolekularen Wirkstoffen hat ihre präklinische und klinische Wirksamkeit (drei Phase-II-Studien) bei verschiedenen Entzündungs- und Infektionskrankheiten gezeigt und verfügt über ein ausgezeichnetes Sicherheitsprofil.

Als Monotherapie hat MetrioPharms aussichtsreichster Kandidat MP1032 eine ähnliche therapeutische Wirkung wie Kortikosteroide (Kortison-basierte Therapeutika), jedoch ohne schwerwiegende Nebenwirkungen.

MP1032 hat synergistische/supra-additive Wirkungen in Kombination mit einer ultraniedrigen Dosis (10 % der normalen Dosis) von Kortikosteroiden gezeigt und damit das Potenzial zur Schaffung einer neuen Klasse von "Superkortikosteroiden" gezeigt, die wirksamer sind und nicht mit schweren Nebenwirkungen verbunden sind. Seit mehr als 60 Jahren gab es keine größeren Fortschritte bei der Erreichung einer solchen kortikosteroidsparenden Therapie und der damit verbundenen Verringerung der kortikosteroidbedingten Nebenwirkungen.

Darüber hinaus hat MP1032 in präklinischen Studien eine breite, wirtsspezifische antivirale und antibakterielle Aktivität gezeigt.

Das Unternehmen hat seinen Hauptsitz in Zürich und verfügt über eine Tochtergesellschaft für F&E-Aktivitäten in Berlin.

Über MP1032 bei Duchenne-Muskeldystrophie

MetrioPharms Wirkstoffkandidat MP1032 stellt ein radikal neues Konzept für eine entzündungshemmende und kortikosteroidsparende Therapie dar. MP1032 hat in Kombination mit ultraniedrig dosierten Kortikosteroiden das Potenzial, die derzeitige hochdosierte Kortikosteroid-Therapie (auf Kortisonbasis) zu ersetzen - mit höherer Wirksamkeit und geringeren Nebenwirkungen.

MetrioPharm hat mehrere präklinische Studien in Zusammenarbeit mit der Patientenorganisation Duchenne UK durchgeführt. In diesen In-vivo-Versuchen wurde MP1032 in einem mdx-Modell für DMD getestet und mit der Wirkung von Kortikosteroiden verglichen. MP1032 konnte dabei die Muskelkraft steigern, vergleichbar mit dem Kortikosteroid Prednisolon®, jedoch ohne dessen schwere Nebenwirkungen. In einer zweiten präklinischen Studie, die von Eurofins durchgeführt wurde, zeigen mehrere Biomarker, dass die Kombination von MP1032 mit einer um 90 % reduzierten Dosis von Prednisolon® die Wirksamkeit auf mehr als das Zweieinhalbfache der normalen Prednisolon®-Dosis erhöht. Diese supra-additiven Wirkungen von MP1032 in Kombination mit einer ultraniedrigen Dosis von Kortikosteroiden zeigen das Potenzial, eine neue Klasse von "Superkortikosteroiden" zu schaffen, die wirksamer sind und deutlich weniger Nebenwirkungen haben.

Zukunftsbezogene Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsbezogene Aussagen, die Risiken und Ungewissheiten beinhalten und mit der Einschätzung der MetrioPharm AG zum Zeitpunkt dieser Mitteilung übereinstimmen. Solche zukunftsbezogenen Aussagen sind weder Versprechen noch Garantien, sondern unterliegen zahlreichen Risiken und Ungewissheiten. Es wird keine Haftung oder Garantie und auch kein Anspruch auf Aktualität, Richtigkeit oder Vollständigkeit dieser Daten und Informationen übernommen, und es sollte keine rechtliche Verbindlichkeit dieser Daten und Informationen abgeleitet werden, weder ausdrücklich noch konkludent.

Kontakte

MetrioPharm

Corporate Communications & Press Relations

T + 41 44 552 7198

E presse@metriopharm.com

W www.metriopharm.com

akampion

Dr. Ludger Wess / Ines-Regina Buth

Managing Partners

info@akampion.com

Tel. +49 40 88 16 59 64 /

Tel. +49 30 23 63 27 68